

**X Conferenza Internazionale sulla Distrofia Muscolare Duchenne e Becker**  
17 – 19 febbraio 2012 – Roma Ergife Palace Hotel

**Programma Sessione Plenaria**

**Sabato 18 febbraio**

**8:30 – 8:50 Registrazione**

**8:50 – 9:00 Benvenuto e apertura dei lavori**  
*Filippo Buccella, Parent Project onlus*

**9:00 - 11:00 Sessione 1: Ricerca di base**  
Moderatore: *Carrie Miceli*

**09:00 - 9:25 Panoramica sulla ricerca nel campo della DMD/BMD**  
*Sharon Hesterlee*  
PPMD, USA

**9:25 - 9:50 Panoramica sugli incontri scientifici di Baltimora e Roma**  
*Carrie Miceli*  
UCLA School of Medicine and College of Letters and Sciences - Los Angeles, USA

**9:50 - 10:10 L'exon skipping in fase preclinica**  
*Annemieke Aartsma-Rus*  
Dept of Human Genetics Leiden University Medical Center LUMC, Olanda

**10:10 - 10:30 Cromosoma umano artificiale per la terapia DMD**  
*Francesco S. Tedesco*  
Dept of Cell and Developmental Biology, University College – Londra, Gran Bretagna.

**10:30 - 10:50 Il Biglicano**  
*Justin Fallon*  
Neuroscience Department of Brown University, USA

**10:50 - 11:10 Coffee Break**



**11:10 - 13:00 Sessione 2: Ricerca di base**

Moderatore: *Stan Nelson*

**11:10 - 11:30 Analisi dei dati DuchenneConnect per determinare gli effetti clinici dell'assistenza in ambito familiare**

*Stan Nelson*

David Geffen School of Medicine at UCLA - Los Angeles, USA

**11:30 - 11:50 Il ruolo dei microRNA nella DMD**

*Irene Bozzoni*

Dip di Biologia e Biotecnologie - Università La Sapienza di Roma, Italia

**11:50 - 12:10 Analoghi degli steroidi come potenziale terapia per la DMD**

*Kanneboyina Nagaraju*

Children's National Medical Center (CGMR) - Washington, USA

**12:10 - 12:30 Identificazione di biomarker genomici nella DMD**

*Alessandra Ferlini*

Dip di Medicina Sperimentale e Diagnostica - Università di Ferrara, Italia

**12:30 - 12:50 Domande e risposte**

**13:00 - 14:30 Pranzo**

**14:30 - 16:30 Sessione 3: Gestione clinica della DMD/BMD**

Moderatore: *Antonio Toscano*

Presidente AIM (Associazione Italiana Miologia)

**14:30 - 14:50 Progetto di Audit civico nei servizi per la DMD e BMD**

*Filippo Buccella*

Parent Project onlus

**14:50 - 15:10 Diagnosi clinica e molecolare**

*Holly Peay*

PPMD, USA

**15:10 - 15:30 Monitoraggio dei trattamenti terapeutici**

*Jes Rahbek*

Rehabiliterings Center for Muskelsvind - Aarhus, Danimarca

**15:30 - 15:50 Gli steroidi per la Duchenne: il buono, il brutto e l'incerto**

*Douglas Biggar*

University of Toronto, Holland Bloorview Kids Rehab. Hospital – Toronto, Canada



**15:50 - 16:10 Gestione riabilitativa ed ortopedica**

*Helen Posselt*  
Brisbane - Australia

**16:10 - 16:30 Gestione degli aspetti endocrinologici e nutrizionali**

*Elena Mularoni*  
Ospedale Oftalmico di Torino - Italia

**16:30 - 16:50 Coffee Break**

**16:50 - 18:50 Sessione 4: Gestione clinica della DMD/BMD**

Moderatore: *Douglas Biggar*

**16:50 - 17:10 Gestione cardiaca nella DMD: anche il cuore è un muscolo**

*Linda Cripe*  
Cincinnati Children's Hospital Medical Center - Cincinnati, USA

**17:10 - 17:30 Gestione delle emergenze cardiache**

*Antonio Amodeo*  
UO Cardiocirurgia Ospedale Pediatrico Bambino Gesù – Roma, Italia

**17:30 - 17:50 Gestione della insufficienza respiratoria cronica**

*Grazia Crescimanno*  
Istituto di Biomedicina e Immunologia Molecolare CNR - Palermo, Italia

**17:50 - 18:10 Gestione delle emergenze respiratorie**

*Fabrizio Racca*  
Anestesia Pediatrica AON SS Antonio e Biagio e Cesare Arrigo Alessandria, Italia

**18:10 - 18:30 Aspetti psicologici e cognitivi**

*Emanuela Giulitti*  
Centro Ascolto Duchenne Parent Project onlus, Italia

**18:30 - 18:50 Domande e risposte**

**20.00 Cena Sociale Parent Project**

## Domenica 19 febbraio

### **9:00 - 11:00 Sessione 1: Aggiornamenti sui Trial**

Moderatore: *Pat Furlong*  
Presidente PPMD, USA

### **9:00 - 9:20 Exon Skipping: studi clinici in corso e prospettive**

*Nathalie Goemans*  
Dept of Pediatrics and Child Neurology, University Hospitals – Leuven

### **9:20 - 9:40 Exon Skipping**

*John Kraus*  
GSK

### **9:40 - 10:00 Exon Skipping**

*Giles Campion*  
Prosensa

### **10:00 - 10:20 Eteplirsen**

*Michela Guglieri*  
Newcastle University, Institute of Genetic Medicine, Newcastle upon Tyne, UK

### **10:20 - 10:40 Sicurezza ed efficacia di Ataluren in pazienti con mutazione nonsense**

*Eugenio Mercuri*  
Dip di Neuropsichiatria Infantile, Policlinico Agostino Gemelli – Roma, Italia

### **10:40 - 11:00 Terapia cellulare per la DMD**

*Giulio Cossu*  
Dept of Cell and Developmental Biology, University College – Londra, Gran Bretagna

### **11:00 - 11:20 Coffee Break**

### **11:20 - 13:30 Sessione 2: Aggiornamenti sui Trial**

Moderatore: *Elizabeth Vroom*  
Presidente DPP e UPPMD, Olanda

### **11:20 - 11:40 Sviluppo clinico di Catena (Idebenone) nella DMD**

*Raffaele Rubino*  
Santhera

### **11:40 – 12:00 Studio clinico con flavocoxid: a che punto siamo?**

*Sonia Messina*  
Dip di Neurologia e Malattie Neuromuscolari Policlinico Universitario Messina, Italia



**Duchenne  
Parent  
Project**  
onlus

**12:00 - 12:20 Isofen**

*Emilio Clementi*

Farmacologia Clinica Ospedale Luigi Sacco - Milano, Italia

**12:20 – 12:40 Tadalafil/Sildenafil**

*Stan Nelson*

David Geffen School of Medicine at UCLA - Los Angeles, USA

**12:40 - 13:00 Primo studio clinico per valutare la tollerabilità, il profilo farmacocinetico e l'effetto di givinostat nella DMD**

*Paolo Bettica*

Italfarmaco

**13:00 - 13:20 Domande e risposte**

**13:20 - 13:30 Conclusioni**

## Programma Sessioni Parallele

**Venerdì 17 febbraio**  
**dalle 17.00 alle 18.30**

Sessioni dedicate a famiglie con bambini piccoli:

- Integrazione Scolastica
- Sessione pratica di stretching
- Guida all'utilizzo del Registro Italiano Pazienti DMD/BMD

**Sabato 18 febbraio**  
**dalle 15.30 alle 17.00 e dalle 17.30 alle 19.00**

- Sessione pratica di stretching e fisioterapia (per fisioterapisti)
- Adolescenza, crescita e sessualità
- Utilizzo degli ausili per la riabilitazione, la respirazione e la comunicazione
- Gruppi di auto-aiuto e sostegno psicologico
- L'abbattimento delle barriere, ristrutturare casa
- Sessione sul lavoro (Progetto 383 "Rete Duchenne al LAVORO contro la povertà e l'esclusione sociale)
- Mio fratello è figlio unico?
- Burocrazia
- Aspetti genetici e Registro Italiano Pazienti DMD/BMD
- Come organizzare eventi ed iniziative per Parent Project Onlus